

薬生薬審発 0524 第 2 号  
令和 3 年 5 月 24 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長  
（公 印 省 略）

希少疾病用医薬品の指定について

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用医薬品が下記のとおり指定されたので、通知する。

記

1. 指定

- (1) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 4 号  
医 薬 品 の 名 称：エクリズマブ（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ギラン・バレー症候群  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：アレクシオンファーマ合同会社
- (2) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 5 号  
医 薬 品 の 名 称：amifampridine  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ランバート・イトン筋無力症候群による筋力低下  
の改善  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：Catalyst Pharmaceuticals, Inc.
- (3) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 6 号  
医 薬 品 の 名 称：バルドキシロンメチル  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アルポート症候群における腎機能の改善  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社